



# Posicionamiento de Uso Compasivo

Situación de España



## ÍNDICE

Situación en España	2
Posicionamiento de FEDER	3
1.- Que la excepción no sea consecuencia de una demora injustificada de fijación de precio	3
2.- Que la denegación de acceso no sea argumentada mediante un concepto jurídico indeterminado ( <i>uso racional</i> ) o que se cuestione la evidencia científica	4
3.- Que entre la solicitud y la resolución se atienda al carácter de urgencia que subyace cuando se está solicitando un MMHH y por lo tanto puede estar en situaciones de carácter vital.	4
4.- Asegurar, una vez finalizado el ensayo clínico, el acceso al uso compasivo sea directo:	5
5.- Para aquellos pacientes que no participan en ensayo clínico, es fundamental mejorar la transparencia y acceso a la información del acceso a través de uso compasivo.	5

## Situación en España

La [Ley 29/2006, de 26 de julio, de garantías y uso racional de medicamentos y productos sanitarios](#), establece en su artículo 24 las garantías de disponibilidad de medicamentos en situaciones específicas y autorizaciones especiales; recogiendo en el apartado 3 de dicho artículo, que el Ministro de Sanidad y Consumo establecerá las condiciones para la prescripción de medicamentos autorizados cuando se utilicen en condiciones distintas a las autorizadas, lo que en cualquier caso tendrá carácter excepcional.

No obstante, al hablar del uso racional de los medicamentos no se definen los criterios de qué implica el *uso racional* por lo que nos encontramos con un **concepto jurídico indeterminado**. Con frecuencia, se argumenta la denegación de un acceso al medicamento con base al criterio del *uso racional* sin dar una debida justificación de cómo se aplica al caso concreto la racionalidad en el acceso, generando situaciones de indefensión al no conocer el motivo real de la denegación e impidiendo de hecho el recurso contra dicha denegación. La denegación no puede fundamentarse única y exclusivamente en lo que es un concepto jurídico indeterminado, ya que la ley no define en ningún momento qué se entiende por *uso racional*.

Este conlleva **interpretaciones contrarias** a lo que se enuncia en la exposición de motivos de dicha ley: «La prestación farmacéutica incluye los medicamentos y productos sanitarios y el conjunto de actuaciones encaminadas a que los pacientes los reciban de forma adecuada a sus necesidades clínicas, en las dosis precisas según sus requerimientos individuales, durante el período de tiempo adecuado y al menor coste posible para ellos y la comunidad».

Cualquier interpretación del *uso racional* fuera del contexto anteriormente expuesto, recogido también por la Organización Mundial de la Salud (OMS), sería contrario a la ley.

El Uso Compasivo en España está regulado en el [Real Decreto 1015/2009, de 19 de junio, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales](#).

En concreto en el art. 2 define el Uso compasivo de medicamentos en investigación como la *utilización de un medicamento antes de su autorización en España en pacientes que padecen una enfermedad crónica o gravemente debilitante o que se considera pone en peligro su vida y que no pueden ser tratados satisfactoriamente con un medicamento autorizado. El medicamento de que se trate deberá estar sujeto a una solicitud de autorización de comercialización, o bien deberá estar siendo sometido a ensayos clínicos.*

Al decir *no pueden ser tratados satisfactoriamente con un medicamento autorizado ¿qué se entiende por satisfactoriamente?* El término satisfactorio es muy indeterminado, dando lugar a posibles interpretaciones y por lo tanto a situaciones de inequidad, inseguridad jurídica e indefensión.

El acceso al uso de medicamentos en investigación podrá efectuarse mediante uno de los siguientes procedimientos:

- a) **Autorización de acceso individualizado.**
- b) **Autorizaciones temporales de utilización.**

La autorización de acceso individualizado conlleva **demasiada burocratización** cuando se está tratando una cuestión vital y cuando en muchas ocasiones el acceso por uso compasivo ya cuenta con una autorización condicional de la Agencia Europea del Medicamento (EMA).

La demora en la toma de decisiones en cuanto al acceso y comunicación de la misma en un caso de enfermedades graves y progresivas **no es admisible**. La demora acumulada y la inexistencia de tratamiento alternativo dejan en entredicho la tutela obligada de los derechos individuales del paciente y su familia.

Además, el acceso a medicamentos por uso compasivo en nuestro país está en gran parte **vinculado al lugar** donde se está llevando a cabo el ensayo clínico, lo que conlleva nuevamente a una situación de inequidad ya que las derivaciones de una Comunidad Autónoma a otra no están previstas para los casos en que se pretende participar en un ensayo clínico

## Posicionamiento de FEDER

### 1.- Que la excepción no sea consecuencia de una demora injustificada de fijación de precio

El uso compasivo es una de las fórmulas de acceso a medicamentos en situaciones especiales que se puede dar cuando todavía no se ha fijado precio y por lo tanto no se ha incluido en la Cartera Básica de prestaciones del Sistema Nacional de Salud.

La tendencia histórica en fijación de precio es que **este proceso cada vez ha tardado más y se ha producido en menos casos**, siendo alarmante en los dos últimos años, donde no se ha fijado

precio para ningún Medicamentos Huérfanos. En este contexto, el acceso al medicamento es difícilmente equitativo cuando la decisión y criterios de acceso no dependen de un único organismo.

Por ello **es imprescindible que se fije precio después de la autorización de forma rápida**; es decir, que se fije siempre y en todo caso después de que haya una autorización por parte de la Agencia Europea del Medicamento, de no ser así, los pacientes continuarán en situación especial de acceso, ya sea por uso compasivo o por medicamento extranjero.

### 2.- Que la denegación de acceso no sea argumentada mediante un concepto jurídico indeterminado (*uso racional*) o que se cuestione la evidencia científica

**Cuando la evidencia científica ha sido valorada positivamente** tanto por la Agencia Europea del Medicamento (EMA) como por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), pero no se ha fijado precio todavía y el paciente quiere acceder a través de uso compasivo **no se debe argumentar una denegación invocando el *uso racional del medicamento*** cuando el médico responsable lo ha prescrito, ni argumentando criterio médico cuando ya se dispone de evidencia científica del medicamento acreditada previamente por la EMA como por la AEMPS.

Con demasiada frecuencia se argumenta la denegación de un acceso al medicamento con base al criterio del *uso racional* sin dar una debida justificación de cómo se aplica al caso concreto la racionalidad en el acceso, generando **situaciones de indefensión** al no conocer el motivo real de la denegación e impidiendo de hecho el recurso contra dicha denegación. La denegación no puede fundamentarse única y exclusivamente en lo que es un concepto jurídico indeterminado, ya que la ley no define en ningún momento qué se entiende por *uso racional*.

### 3.- Que entre la solicitud y la resolución se atienda al carácter de urgencia que subyace cuando se está solicitando un MMHH y por lo tanto puede estar en situaciones de carácter vital.

El uso compasivo de medicamentos en investigación se define como **la *utilización de un medicamento antes de su autorización* en España en pacientes que padecen una enfermedad crónica o gravemente debilitante o que se considera pone en peligro su vida y que no pueden ser tratados satisfactoriamente con un medicamento autorizado.**

Teniendo en cuenta que cuando se solicita el acceso a medicamentos a través de uso compasivo, estamos muchas veces en situación de carácter vital, **es necesario que se acorten los plazos administrativos** previstos con carácter general para atender cualquier otra clase de solicitud. Con los plazos que están establecidos con carácter general, la resolución favorable se recibe cuando ya se ha fijado precio o se puede acceder al medicamento por comercialización en el extranjero; o en situaciones más alarmantes; cuando la enfermedad ha avanzado hasta tal punto que el medicamento ya no tiene la utilidad que tenía para el paciente.

Si los plazos no se acortan, **el paciente ve anuladas sus posibilidades de reclamación**, generando nuevamente situaciones de indefensión jurídica al paciente que necesita acceder al medicamento.

4.- Asegurar, una vez finalizado el ensayo clínico, el acceso al uso compasivo sea directo:

---

Es fundamental que **el acceso de los pacientes que han participado en un ensayo clínico se prorrogue** por uso compasivo **hasta** que se produzca **la fijación de precio**; no interrumpiendo el tratamiento que estaba recibiendo por cuestiones no clínicas sino burocráticas.

5.- Para aquellos pacientes que no participan en ensayo clínico, es fundamental mejorar la transparencia y acceso a la información del acceso a través de uso compasivo.

---

Es importante **que los pacientes tengan información** del inicio del desarrollo de un ensayo clínico de un nuevo fármaco y que reciban orientación de cómo informarse e instar a la pertinencia de acceder por uso compasivo; definiéndose en este caso todos los aspectos relevantes; cuando se producirá, quién tendrá acceso, cómo acceder...